EMA/577381/2023
EMEA/H/C/005763

Casgevy (eksagamglogen autotemcel)

Pregled informacija o lijeku Casgevy i zašto je odobren u EU-u

Što je Casgevy i za što se koristi?

Casgevy je lijek koji se koristi za liječenje poremećaja krvi poznatih kao beta-talasemija i bolest srpastih stanica u bolesnika u dobi od 12 godina i starijih.

Kad je riječ o beta-talasemiji, Casgevy se koristi u bolesnika kojima su potrebne redovite transfuzije krvi. U tih bolesnika ne stvara se dovoljno hemoglobina, proteina u crvenim krvnim stanicama koji prenosi kisik po tijelu. Zbog toga oni imaju nisku razinu crvenih krvnih stanica i potrebne su im česte transfuzije krvi.

Kod bolesti srpastih stanica Casgevy se koristi u bolesnika s teškim oblicima bolesti i bolnim krizama koje se ponavljaju. Ti bolesnici imaju abnormalan oblik hemoglobina, zbog čega crvene krvne stanice postaju krute i ljepljive te se njihov oblik diska mijenja u oblik polumjeseca (nalik srpu). Te stanice mogu začepiti krvne žile, što uzrokuje bolne krize u prsnom košu, abdomenu (trbuhu) i drugim dijelovima tijela.

Beta-talasemija i bolest srpastih stanica rijetke su bolesti, a lijek Casgevy dobio je status „lijeka za rijetku bolest". Više informacija o statusu lijekova za rijetke bolesti dostupno je na mrežnom mjestu Europske agencije za lijekove (beta-talasemija): 17. listopada 2019.; bolest srpastih stanica: 9. siječnja 2020.)

Kao djelatnu tvar Casgevy sadrži genetski modificirane matične stanice (stanice koje se mogu razviti u krvne stanice) uzete iz bolesnikove krvi. Lijek se primjenjuje kada je liječenje matičnim stanicama primjereno i nema odgovarajućih darivatelja matičnih stanica.

Kako se Casgevy primjenjuje?

Lijek Casgevy izdaje se samo na recept, a mora ga davati liječnik u ovlaštenoj zdravstvenoj ustanovi koji je osposobljen za primjenu ovog lijeka i ima iskustvo u presađivanju matičnih stanica i liječenju poremećaja krvi koji utječu na hemoglobin.

Casgevy se proizvodi pojedinačno za svakog bolesnika od matičnih stanica iz krvi samog bolesnika i smije se dati samo bolesniku za kojega je proizveden. Primjenjuje se jednokratno infuzijom (ukapavanjem) u venu, a doza ovisi o tjelesnoj težini bolesnika.

© European Medicines Agency, 2024. Reproduction is authorised provided the source is acknowledged.

Prije nego što primi lijek Casgevy, bolesnik će biti podvrgnut kemoterapiji koja se primjenjuje kao kondicioniranje kako bi se uklonile stanice iz njegove koštane srži.

Za više informacija o primjeni lijeka Casgevy pročitajte uputu o lijeku odnosno obratite se svojem pružatelju zdravstvenih usluga.

Kako djeluje Casgevy?

Za potrebe proizvodnje lijeka Casgevy matične stanice se uređuju (tehnologijom CRISPR/Cas9) kako bi mogle proizvesti više fetalnog hemoglobina, vrste hemoglobina koji je prisutan u nerođene djece u maternici, a u malim količinama i u odraslih osoba. Budući da se fetalnim hemoglobinom može nadoknaditi nedostatak normalnog hemoglobina u odraslih, modificirane matične stanice mogu, kad se ubrizgaju bolesnicima, povisiti razine crvenih krvnih stanica u bolesnika s beta-talasemijom i spriječiti bolne krize u bolesnika s bolešću srpastih stanica.

Koje su koristi od lijeka Casgevy utvrđene u ispitivanjima?

Učinci lijeka Casgevy temelje se na privremenim rezultatima dvaju ispitivanja koja su još u tijeku. U tim ispitivanjima lijek Casgevy nije uspoređivan s drugim lijekom ni s placebom.

U jednom ispitivanju među bolesnicima s talasemijom u dobi između 12 i 35 godina, u kojem je lijek primijenjen nakon kondicioniranja kemoterapijom, 39 od 42 bolesnika zadržalo je razine hemoglobina iznad 9 g/dl bez potrebe za transfuzijama krvi tijekom najmanje 12 uzastopnih mjeseci.

Također se pokazalo da je lijek Casgevy učinkovit u sprječavanju bolnih kriza povezanih s bolešću srpastih stanica. U ispitivanju provedenom među bolesnicima s teškim oblicima bolesti srpastih stanica u dobi od 12 do 35 godina, 28 od 29 bolesnika nije imalo nikakve bolne krize tijekom najmanje 12 uzastopnih mjeseci kad su primili lijek Casgevy nakon kondicioniranja kemoterapijom. Nijednom od bolesnika (29 od 29) nije bila potrebna hospitalizacija zbog bolnih kriza tijekom najmanje 12 uzastopnih mjeseci.

Koji su rizici povezani s lijekom Casgevy?

Potpuni popis nuspojava i ograničenja povezanih s lijekom Casgevy potražite u uputi o lijeku.

Najčešće nuspojave lijeka Casgevy (koje se mogu javiti u više od 1 na 10 osoba) jesu glavobolja, mučnina te bol u mišićima i kostima.

Liječnici trebaju razmotriti mogu li bolesnici primiti neophodne tretmane prije terapije lijekom Casgevy.

Zašto je lijek Casgevy odobren u EU-u?

Beta-talasemija koja zahtijeva transfuzije i bolest srpastih stanica ozbiljne su bolesti za koje postoje ograničene mogućnosti liječenja. Iako su ispitivanja lijeka Casgevy bila malog opsega te su postojale nesigurnosti u pogledu njihova dizajna, ona su pokazala da se jednokratnom terapijom može smanjiti potreba za transfuzijama crvenih krvnih stanica u bolesnika s beta-talasemijom i smanjiti broj bolnih kriza u bolesnika s bolešću srpastih stanica.

U pogledu sigurnosti, liječenje se općenito dobro podnosilo, a nuspojave su uglavnom bile uzrokovane kemoterapijom radi kondicioniranja. Mogao bi postojati teoretski rizik od raka uzrokovanog nenamjernim promjenama u genetskom materijalu iako dosad nisu zabilježeni takvi slučajevi. Postoji i potencijalni rizik od krvarenja jer lijek može uzrokovati pad broja trombocita (krvnih pločica koje pomažu pri zgrušavanju krvi). Uspostavljene su mjere za praćenje takvih događaja u okviru 15-godišnjeg ispitivanja na temelju registra bolesnika.

Europska agencija za lijekove zaključila je da koristi od lijeka Casgevy nadmašuju s njim povezane rizike te da lijek može biti odobren za primjenu u EU-u. Za lijek Casgevy izdano je „uvjetno odobrenje". To znači da će tvrtka morati dostaviti dodatne dokaze nakon izdavanja odobrenja za stavljanje lijeka u promet.

Uvjetno odobrenje izdaje se na temelju manje opsežnih podataka nego što je to obično potrebno. Izdaje se za lijekove koji ispunjavaju nezadovoljenu medicinsku potrebu za liječenjem ozbiljnih bolesti i ako koristi od njihova ranijeg stavljanja na raspolaganje nadmašuju sve rizike povezane s primjenom lijekova dok se čekaju dodatni dokazi. Europska agencija za lijekove svake će godine procijeniti sve nove informacije koje postanu dostupne dok podatci ne postanu sveobuhvatni te će se ovaj pregled informacija po potrebi ažurirati.

Koje se mjere poduzimaju kako bi se osigurala sigurna i učinkovita primjena lijeka Casgevy?

Tvrtka koja lijek Casgevy stavlja u promet dostavit će rezultate ispitivanja koja su u tijeku kako bi se dodatno procijenila učinkovitost i sigurnost lijeka. Tvrtka će zdravstvenim radnicima za koje se očekuje da će primjenjivati lijek dostaviti i edukacijske materijale s informacijama o njegovoj sigurnosti, uključujući i mogući rizik od raka i potrebu za praćenjem razina trombocita u bolesnika te o načinu davanja lijeka. Bolesnici će dobiti vodič i karticu koju trebaju nositi sa sobom.

Preporuke i mjere opreza kojih se zdravstveni radnici i bolesnici trebaju pridržavati u cilju sigurne i učinkovite primjene lijeka Casgevy također se nalaze u sažetku opisa svojstava lijeka i u uputi o lijeku.

Kao i za sve lijekove, podatci o primjeni lijeka Casgevy kontinuirano se prate. Sumnje na nuspojave prijavljene za lijek Casgevy pažljivo se procjenjuju i poduzimaju se sve potrebne mjere za zaštitu bolesnika.

Ostale informacije o lijeku Casgevy

Više informacija o lijeku Casgevy dostupno je na mrežnom mjestu Agencije:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/casgevy